

in der kognitiven Verarbeitungsgeschwindigkeit (cognitive processing speed, CPS) und im Arbeitsgedächtnis zuverlässig erfasst werden. Die CPS ist der bei MS am häufigsten betroffene Parameter und kann mit dem SDMT am besten bestimmt werden. In einer beim diesjährigen IMSCOGS vorgestellten Subgruppenanalyse einer Phase-III-Studie mit dem Sphingosin-1-Phosphat (S1P)-Rezeptormodulator Siponimod (Mayzent®) konnte gezeigt werden, dass Siponimod die mit dem SDMT erfasste CPS im Vergleich zu Placebo verbessert oder länger stabil hält [Benedict R et al.

IMSCOGS 2019, Poster 21]. Das in den USA bereits zugelassene Siponimod verhindert die Migration von Lymphozyten ins ZNS und wirkt dadurch entzündungshemmend. Der Wirkstoff kann zudem die Blut-Hirn-Schranke überwinden und im Hirngewebe schädlichen immunologischen Prozessen entgegenwirken. Die EU-Zulassung ist beantragt.

*Dr. Beate Grübler*

8th Annual Meeting of the International MS Cognition Society (IMSCOGS), Amsterdam, 6./7.6.2019; Mayzent® (Siponimod) wird von Novartis vertrieben.

## Morbus Pompe

# Rumpfnaher Muskelschwäche plus erhöhter CK-Wert muss hellhörig machen

Ein mild verlaufender juveniler oder adulter Morbus Pompe („late onset“-Pompe) wird meist mit großer Verzögerung diagnostiziert. Verdächtig ist eine rumpfnahere Muskelschwäche in Verbindung mit erhöhten CK-Werten. Patienten mit solchen Befunden sollten frühzeitig in ein neuromuskuläres Zentrum überwiesen werden.

Die klinische Unterscheidung eines sogenannten „late onset“-Pompe von angeborenen Gliedergürteldystrophien (LGMD) wie der X-chromosomalen Muskeldystrophie Typ Becker-Kliener könne schwierig sein, sagte Prof. Dr. Matthias Vorgerd, Neurologe vom Klinikum Bergmannsheil, Bochum. In manchen Fällen führe erst eine humangenetische Beratung bei Kinderwunsch von der initialen Diagnose LGMD schließlich zur finalen Diagnose fortgeschrittener M. Pompe.

Wegweisend für die Frühdiagnose eines M. Pompe bei Patienten mit proximalen Paresen sind nach Angaben Vorgerds ein Muskel-MRT, eine Enzymdiagnostik zum Nachweis einer verringerten Aktivität der sauren Alpha-Glukosidase (GAA) und eine genetische Panel-Diagnostik. Zur Abklärung eines ersten klinischen Pompe-Verdachts gibt es auch einen Trockenbluttest.

Seit Verfügbarkeit einer kausalen Enzymersatztherapie (EET) für die lysosomale Speicherkrankheit im Jahr 2006 ist die möglichst frühe Diagnose von hoher

Bedeutung. Je früher mit der EET begonnen werden kann, desto höher sind in der Regel die Erfolgchancen. Durch die EET (Myozyme®, 20 mg/kg KG alle 14 Tage) wird die pathologische Glykogenspeicherung in Zellen und Geweben von Pompe-Patienten schnell aufgehoben, sagte Prof. Dr. Benedikt Schoser vom Friedrich-Baur-Institut, LMU München. Bei vielen Patienten kann so die Krankheitsprogression gestoppt oder zumindest verlangsamt werden. Laut 5-Jahres-Daten einer Studie in den Niederlanden bei insgesamt 102 adulten Pompe-Patienten hat sich unter der EET bei 59% der Behandelten der Zustand verbessert oder ist stabil geblieben. Bei weiteren 20% war der Krankheitsverlauf besser, beim letzten Fünftel ungünstiger als erwartet (van der Beek N et al. *Neurology* 2017;89:2365–73). Die besten Effekte werden in den ersten ein bis drei Jahre der Therapie erreicht, sagte Schoser. Die Mortalität der Patienten werde durch die Therapie etwa fünf-fach verringert.

Hoffnungen auf noch bessere Therapiemöglichkeiten sind auf neue Enzympräparate gerichtet, die derzeit klinisch geprüft werden. Auch Gentherapien werden untersucht.

*Roland Fath*

Meet-the-Expert „Morbus Pompe: Ohne Umwege zur richtigen Diagnose & Therapie“, DGN-Kongress, Stuttgart, 26.9.2019, Veranstalter: Sanofi Genzyme GmbH

## Doch Zulassung für Aducanumab angestrebt

Biogen und Eisai geben ihren Alzheimer-Kandidaten Aducanumab nun doch nicht auf. Vielmehr sei geplant, im ersten Quartal 2020 in den USA einen Zulassungsantrag einzureichen, teilen die Unternehmen in einer gemeinsamen Pressemitteilung mit. Diese Entscheidung basiere auf einer neuerlichen und vor allem breiter angelegten Auswertung zweier Phase-III-Studien (ENGAGE und EMERGE). Im März dieses Jahres hatte eine Zwischenanalyse noch den Schluss nahegelegt, dass die primären Endpunkte mit Aducanumab nicht erreicht werden können. Das eingehendere Datenstudium, das in Absprache mit der Zulassungsbehörde FDA durchgeführt worden sei, habe nun aber „signifikante Vorteile in Bezug auf Kognition und Funktionsmessungen wie Gedächtnis, Orientierung und Sprache“ für Patienten unter Aducanumab gezeigt. Auch mit alltäglichen Aktivitäten wie Haushaltsführung oder Geldgeschäften seien die Patienten der Verumgruppe zunehmend besser zurechtgekommen. Sollte der Zulassungsantrag erfolgreich sein, wäre Aducanumab nicht nur die erste Therapie, mit der sich das Fortschreiten der Alzheimer-Demenz verringern ließe, sondern auch eine Bestätigung für den zuletzt grundlegend infrage gestellten Ansatz, Amyloid-Plaques zu entfernen. *red*

Nach Informationen von Biogen und Eisai

## Atomoxetin von 1 A Pharma

Das Unternehmen 1 A Pharma hat seine ZNS-Palette um den Wirkstoff Atomoxetin erweitert. „Atomoxe-1A Pharma® Hartkapseln“ sind zur Behandlung der Aufmerksamkeitsdefizit-/Hyperaktivitätsstörung (ADHS) bei Kindern ab sechs Jahren zugelassen, bei Jugendlichen und bei Erwachsenen als Teil eines umfassenden Behandlungsprogramms. Ein solches Programm schließt typischerweise psychologische, pädagogische und soziale Maßnahmen ein. *red*

Nach Informationen von 1 A Pharma